

遺伝子治療(in vivo)に対する法的枠組みについて 特別研究班の中間報告の概要

第2回 再生医療等安全性確保法の 見直しに係るワーキンググループ
令和3年1月18日

資料1-2

・ 現在、遺伝子治療臨床研究指針において遺伝子治療等と定義される技術の他に、それと同等のリスクや類似した技術を持つ、またはその可能性があると考えられる関連技術・類縁技術まで法の対象範囲に含めるべきかどうかについて検討する。

・ 遺伝子治療等の提供において求められる手続きについては、現行の再生医療等安全性確保法で求められる手続きを参考に、ベクターの製造・管理や特定認定再生医療等審査委員会の構成要件など、遺伝子治療特有の要件について検討する。

・ 現在再生医療等安全性確保法が適用されているex vivo遺伝子治療も、同法が適用されないin vivo遺伝子治療も、遺伝子治療等としての共通するリスクがあるが、in vivo遺伝子治療には特有のリスク（生殖細胞への影響や第3者への伝播リスク）がある。

→両者をどのような枠組みで管理する必要があるかについては引き続き検討を要するが、その仕組みについては現行の再生医療等安全性確保法や遺伝子治療臨床研究指針を参考にできる。

遺伝子治療(in vivo)に対する法的枠組みについて

WGでご議論いただきたい論点

■法の対象とする遺伝子治療技術の範囲の検討について

- ・ 現行の遺伝子治療臨床研究指針で定義されている「遺伝子治療」に含まれない関連技術・類縁技術を含めて法の対象範囲を検討する方向性は妥当か

■遺伝子治療に求められる手続きの検討について

- ・ 現行の再生医療等安全性確保法で求められる手続きを参考に遺伝子治療特有の要件について引き続き具体的な検討を行う方向性は妥当か

■①細胞医療（ex vivo以外）②ex vivo遺伝子治療③ in vivo遺伝子治療の法的枠組みのあり方について

I. ②+③を「遺伝子治療」として同一の枠組みとすることについてどう考えるか

→考え方の背景：②と③には共通するリスク（※1）がある

（※1）がん化リスク、発現タンパク質の免疫原性、ウィルスベクターの病原性など

II. 現行の「細胞医療（ex vivo含む）」の枠組み（①+②）と③とを分けて管理することについてどう考えるか

→考え方の背景：③には②にはない特有のリスク（※2）がある

（※2）第3者への伝播リスク、生殖細胞への影響など

参考資料 1：遺伝子治療等とは

定義

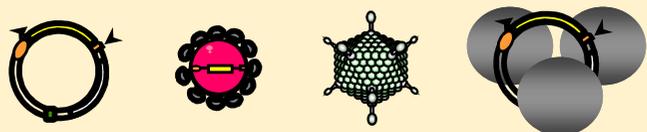
「遺伝子治療等」とは、疾病の治療や予防を目的とした次のいずれかに該当する行為をいう。

- (1) 遺伝子又は遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること。
- (2) 特定の塩基配列を標的として人の遺伝子を改変すること。
- (3) 遺伝子を改変した細胞を人の体内に投与すること。

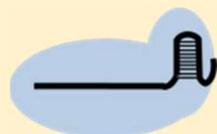
※「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」より抜粋

遺伝子治療薬の直接投与 (in vivo遺伝子治療)

- 遺伝子導入
ウイルスベクター
プラスミド (Naked DNA)
プラスミド/リポソーム
増殖性組換ウイルス等



- タンパク質、RNAなどの遺伝子改変
ゲノム編集技術等



臨床研究法による手続

(※臨床研究として行う場合のみ)

+

遺伝子治療等臨床研究に関する指針による手続

(※臨床研究として行う場合のみ)

遺伝子導入細胞の投与 (ex vivo遺伝子治療)

標的細胞を取り出す
(自己、同種)

標的細胞

(造血幹細胞、T細胞等)

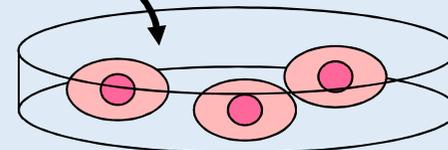


(ベクター、ゲノム編集など)

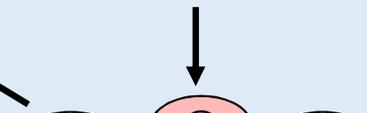
体外培養・増幅



遺伝子導入・改変



投与



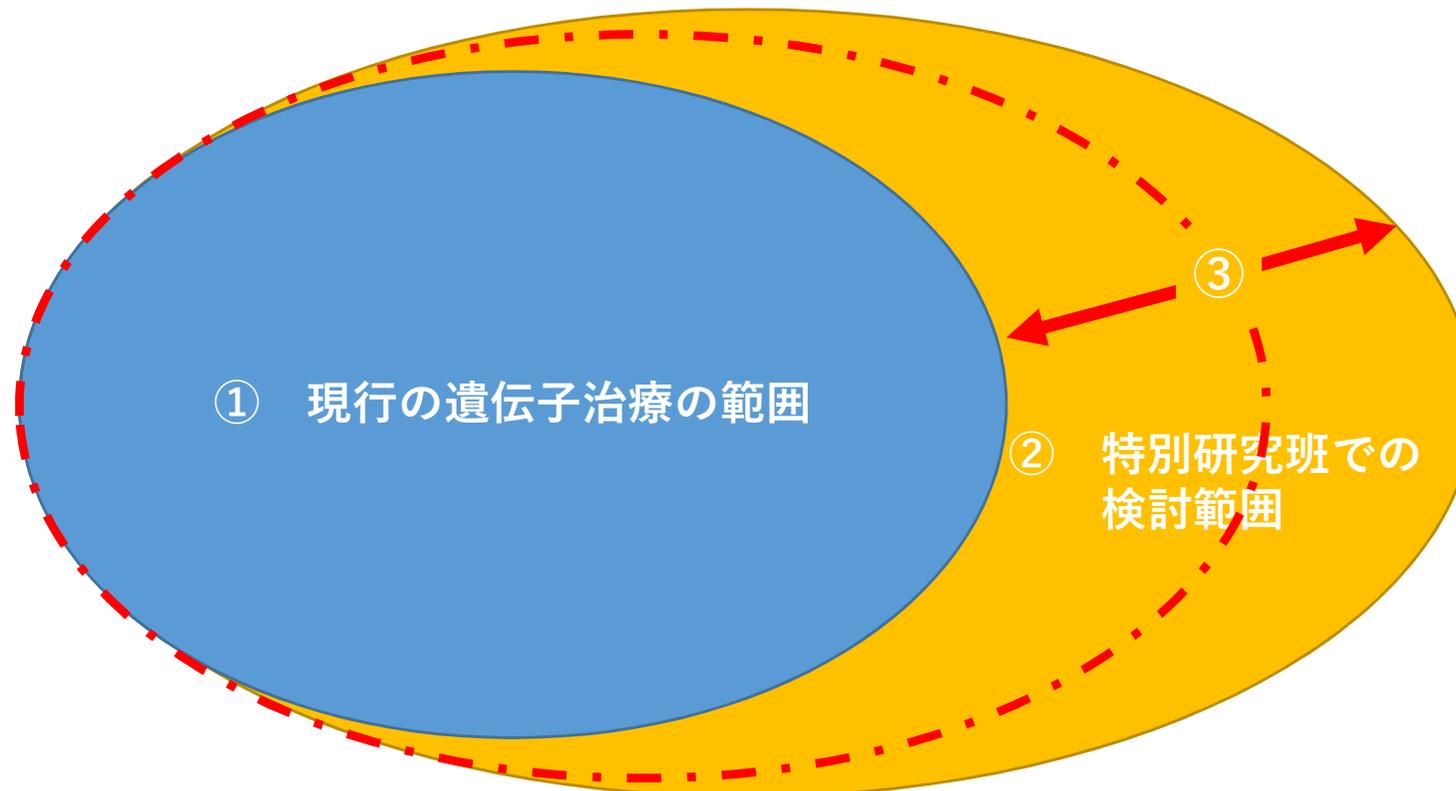
遺伝子導入細胞

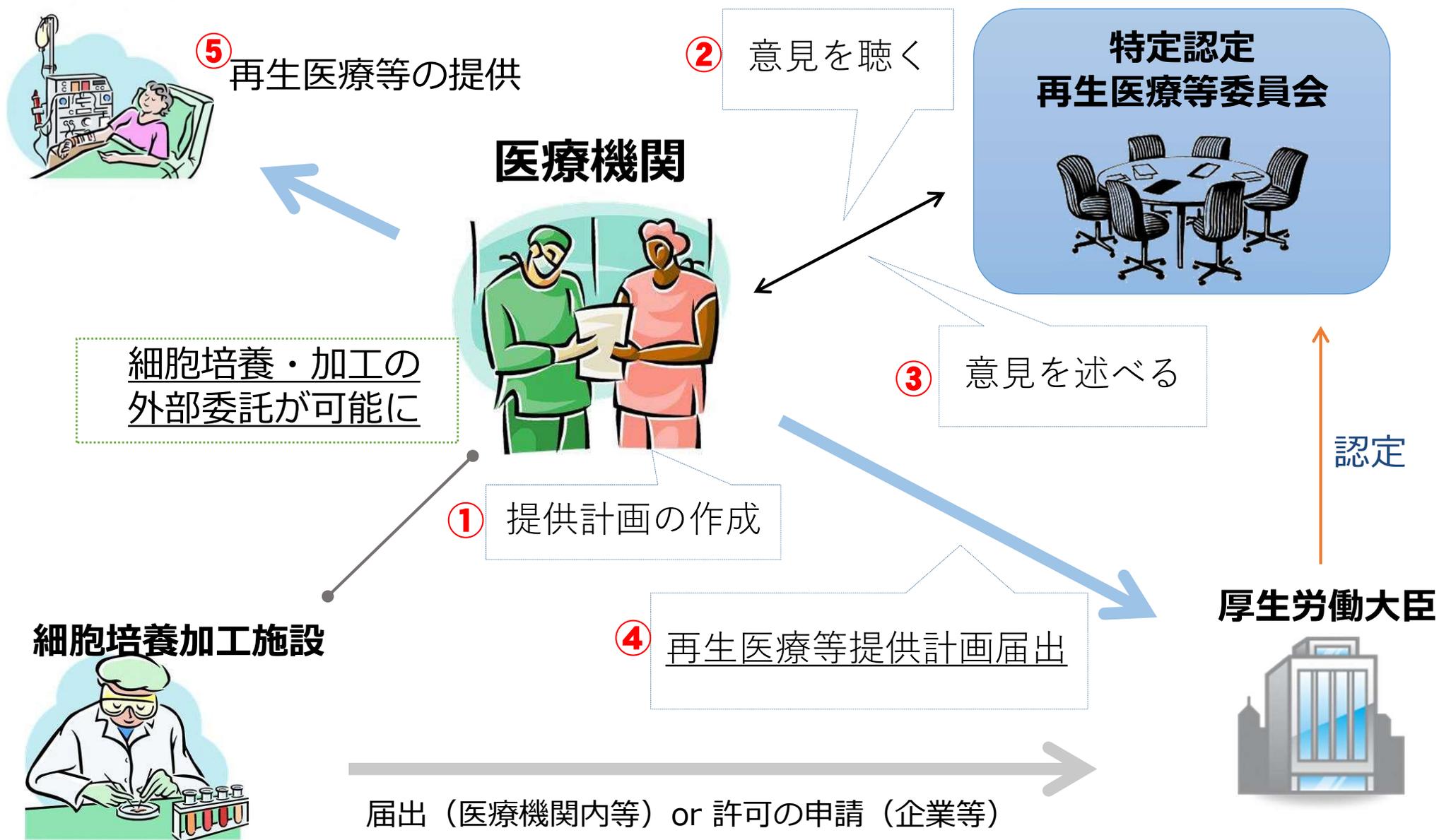
再生医療等安全性確保法による手続

(※臨床研究として行う場合、治療として行う場合の両方)

参考資料 2：法の対象範囲の検討イメージ

- ① 現行の遺伝子治療臨床研究指針で定義される遺伝子治療の範囲（下図 青色部分）
→ 遺伝子の導入や改変を行う技術などが該当
- ② 特別研究班において検討・議論すべき技術の対象範囲（下図 オレンジ色部分）
→ ゲノム編集技術を応用した技術や、mRNAを導入する技術の一部など、
今般の技術革新によって開発・実用化が急速に普及している関連技術や類縁技術などを検討範囲に含める
- ③ 上記のうち、法で規制すべき技術の対象範囲（下図 赤点線および矢印部分）
→ 技術としてのリスクや類似性などを考慮し、法の対象範囲についての議論を行う（対象範囲の変動あり）





参考資料 4 : 細胞治療と遺伝子治療に対する法的枠組み

		対象技術	研究	診療
再生医療等 ※「等」は細胞治療		① 細胞 例：iPS細胞を心筋細胞に分化させ、人に移植	再生医療等 安全性確保法	
	遺伝子治療等	② 細胞・遺伝子 (<u>ex vivo</u> 遺伝子治療) 例：体外でリンパ球（細胞）に遺伝子改変を施し、人に移植		
	※「等」は予防	③ 遺伝子 (<u>in vivo</u> 遺伝子治療) 例：ウイルスによって遺伝子を体内に導入し、タンパク質を発現させる	規制なし	